



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. Mai 2024
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Rücknahme des Antrags auf Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen für Scenesse (Afamelanotid)

Clinuvel Europe Limited hat seinen Antrag auf Änderung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Scenesse zur Ausweitung der Anwendung auf Jugendliche mit erythropoetischer Protoporphyrrie (EPP), einer seltenen Erkrankung, die Lichtunverträglichkeit verursacht, zurückgenommen.

Das Unternehmen zog den Antrag am 24. April 2024 zurück.

Was ist Scenesse und wofür wird es angewendet?

Scenesse ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Erwachsenen mit EPP angewendet wird. Bei Patienten mit EPP kann die Lichtexposition zu Symptomen wie Schmerzen und Schwellungen an der Haut führen, die verhindern, dass diese sich im Freien oder an Orten mit hellem Licht aufhalten können. Scenesse wird eingesetzt, um das Auftreten dieser Symptome zu verhindern oder zu verringern, damit die Patienten ein normaleres Leben führen können.

Scenesse ist seit Dezember 2014 in der EU zugelassen.

Scenesse enthält den Wirkstoff Afamelanotid. Das Arzneimittel ist als Implantate erhältlich, die einmal alle zwei Monate vor und in Zeiten hoher Sonnenlichtexposition, z. B. von Frühjahr bis Herbst, unter die Haut des Patienten injiziert werden. Die Anzahl der Implantate pro Jahr hängt davon ab, wie viel Schutz vor der Sonne benötigt wird. Es werden drei Implantate pro Jahr empfohlen; die maximale Anzahl beträgt 4.

Scenesse wurde am 8. Mai 2008 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen EPP ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Weitere Informationen zu den Anwendungsgebieten von Scenesse finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse



Welche Änderung hatte das Unternehmen beantragt?

Das Unternehmen beantragte die Ausweitung der Anwendung von Scenesse auf Jugendliche mit EPP im Alter von 12 bis 17 Jahren. Während der Beurteilung änderte das Unternehmen den Antrag für Jugendliche auf 15 bis 17 Jahre und mit einem Gewicht von mehr als 60 kg.

Wie wirkt Scenesse?

Patienten mit der EPP weisen hohe Konzentrationen einer Substanz auf, die als Protoporphyrin IX bezeichnet wird. Bei Exposition gegenüber Licht verursacht Protoporphyrin IX die schmerzhaften Hautreaktionen, die bei Personen mit dieser Erkrankung zu beobachten sind.

Der Wirkstoff in Scenesse, Afamelanotid, stimuliert die Produktion eines braunschwarzen Pigments in der Haut, des sogenannten Eumelanin, das während der Exposition gegenüber Sonnenlicht produziert wird, um die Hautzellen vor schädlichen Lichtstrahlen zu schützen. Indem Scenesse die Bildung von Eumelanin in der Haut anregt, reduziert es die Menge des von der Haut aufgenommenen Lichts und trägt so dazu bei, diese schmerzhaften Reaktionen zu verhindern oder zu reduzieren.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Daten aus einer Registerstudie vor, an der sieben Jugendliche im Alter von 15 bis 17 Jahren teilnahmen, die mit der Formulierung von Scenesse für Erwachsene (Implantate, die in regelmäßigen Abständen unter die Haut injiziert werden) behandelt wurden. Die Daten stützen sich auf Berichte von Patienten, welche Sonnenschutzmaßnahmen sie angewendet haben, sowie auf die Antworten der Patienten auf einen Fragebogen zur Lebensqualität.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen formuliert hatte. Nachdem die Agentur die Antworten des Unternehmens auf die Fragen geprüft hatte, waren immer noch einige Fragen ungeklärt.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Informationen und der Antworten des Unternehmens auf die Fragen der Agentur bestanden seitens der Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Die Agentur war der vorläufigen Ansicht, dass Scenesse für die Behandlung von Jugendlichen mit EPP nicht hätte zugelassen werden können.

Die Agentur war der Auffassung, dass das Unternehmen keine ausreichenden und belastbaren Nachweise vorgelegt hatte, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Scenesse bei Jugendlichen zu ermitteln oder die am besten geeignete Dosis für diese Altersgruppe festzulegen. Die in die Studie aufgenommenen Jugendlichen erhielten die Formulierung von Scenesse für Erwachsene. Es lagen keine Daten darüber vor, wie das Arzneimittel bei Jugendlichen resorbiert, modifiziert und aus dem Körper ausgeschieden wird und welche Wirkungen es bei dieser Patientengruppe im Körper hat. Die Daten zur Sicherheit von Scenesse bei Jugendlichen waren ebenfalls sehr begrenzt.

Die Agentur war daher der Ansicht, dass das Nutzen-Risiko-Verhältnis von Scenesse bei der Behandlung von Jugendlichen mit EPP nicht festgestellt werden konnte.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass es seinen Antrag zurückgezogen habe, da es nicht möglich sei, die von der Agentur erwarteten umfassenden Sicherheits- und Wirksamkeitsdaten vorzulegen.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Upkanz teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.

Was geschieht mit Scenese für die Behandlung von Erwachsenen mit EPP?

Bei Erwachsenen mit EPP ist Scenese weiterhin zugelassen.